



For the promotion
and recognition
of excellence
in orphan diseases
treatment research

The Review Committee

Chairman:

Prof. Robert J. Desnick,
M.D., Ph.D., D.SC. (Hon),

Dean for Genetics and Genomic
Medicine, Professor and Chairman
Emeritus Department of Genetics
& Genomic Sciences, The Icahn
School of Medicine at Mount Sinai,
New York City, NY, USA

Prof. Andrew Pearson,
M.D., Ph.D.,

Retired Cancer Research
Professor of Paediatric Oncology,
Institute of Cancer Research and
the Royal Marsden Hospital NHS
Trust, Sutton, UK

Prof. Charles Patrick Reynolds
M.D., Ph.D.,

Cancer Center Director,
Professor of Pediatrics,
Cell Biology & Biochemistry,
and internal medicine,
School of Medicine, Texas
Tech University Health Sciences
Center, Lubbock, USA

Recordati S.p.A
Via M. Civitali, 1
20148 Milan, Italy
Ph +39 02 48787.1
Fax +39 02 40 073 747
www.recordati.com
www.prize.recordati.it

ANNUNCIATO IL VINCITORE DELL'UNDICESIMA EDIZIONE DEL PREMIO INTERNAZIONALE PER LA RICERCA SCIENTIFICA ARRIGO RECORDATI

Nel 2024 il Premio è stato dedicato alla promozione e al riconoscimento dell'eccellenza nella ricerca in oncologia pediatrica, in particolare sul neuroblastoma

Il progetto di ricerca del Dott. Adam Durbin, M.D., Ph.D., volto ad individuare nuove potenziali strategie terapeutiche per i bambini affetti da neuroblastoma, è stato premiato con il riconoscimento di €100.000

Milano, 16 maggio 2024

Durante la 5° edizione dell'Annual Meeting of the European Society for Paediatric Oncology (SIOP) tenutasi a Milano, l'Undicesima Edizione del Premio Internazionale per la Ricerca Scientifica Arrigo Recordati si è conclusa con la premiazione del Dott. Adam Durbin¹ del St. Jude Children's Research Hospital di Memphis per aver individuato nuove potenziali strategie terapeutiche per i bambini affetti da neuroblastoma.

Il Premio è stato istituito nel 2000 dal Gruppo Recordati in memoria dell'imprenditore farmaceutico italiano Arrigo Recordati, con l'obiettivo di tenere viva la sua eredità e ispirare scoperte biomediche a beneficio delle persone in tutto il mondo. Arrigo Recordati credeva fermamente nell'importanza della ricerca per la crescita dell'industria farmaceutica e per lo sviluppo di prodotti finalizzati al miglioramento della salute pubblica e del benessere individuale.

In questa edizione sono giunte candidature da più di 40 giovani ricercatori di diverse nazionalità e i loro progetti di ricerca sono stati valutati dai membri di una Giuria indipendente, composta da autorevoli esperti riconosciuti a livello mondiale, che si sono distinti durante la loro lunga carriera nell'ambito delle malattie rare, tra i quali il Presidente Robert J. Desnick, M.D., Ph.D., D.SC., il Prof. Andrew Pearson, M.D., Ph.D., e il Prof. Charles Patrick Reynolds, M.D., Ph.D.

Durante la cerimonia di premiazione, la Giuria e Andrea Recordati, Presidente di Recordati, sono stati lieti di annunciare che **il progetto di ricerca del Dott. Adam Durbin è stato premiato con il riconoscimento di €100.000.**

*"Sono orgoglioso che il nostro importante contributo supporti la ricerca nel campo dell'oncologia pediatrica, in particolare sul neuroblastoma, che costituisce una patologia rara e devastante per i bambini che ne sono affetti e per le loro famiglie – in linea con il nostro forte impegno ad aiutare coloro che soffrono di malattie rare attraverso la business unit dedicata Recordati Rare Diseases", ha dichiarato **Andrea Recordati, Presidente di Recordati**, annunciando il vincitore. "È un onore e un privilegio premiare l'eccellente progetto di ricerca del Dott. Adam Durbin che offrirà l'opportunità di fornire nuove potenziali strategie terapeutiche ai bambini affetti da neuroblastoma".*

¹ Il Dott. Adam Durbin, M.D., Ph.D., è Assistant Member presso il Dipartimento di Oncologia del St. Jude Children's Research Hospital a Memphis, Tennessee, Stati Uniti.

Il progetto vincente: “Targeting E/P300/CBP Control of Chemoresistance in Neuroblastoma”

Una delle principali sfide nella medicina oncologica è la gestione delle recidive. Le recidive sono state abitualmente associate a mutazioni acquisite che conferiscono resistenza alle terapie. Tuttavia, sono emerse prove che dimostrano che le cellule tumorali possono transitare tra stati cellulari trascrizionali specificati epigeneticamente, alcuni dei quali possono essere resistenti alla chemioterapia. Il cancro recidivo e la resistenza alla chemioterapia sono i principali fattori che influenzano negativamente l'esito nei pazienti affetti dal neuroblastoma, il quale è ad alto rischio e relativamente silente dal punto di vista mutazionale. Il neuroblastoma esiste in stati cellulari diversi, taluni denominati “adrenergici” (ADRN) ed uno più resistente alla chemioterapia, denominato “mesenchimale” (MES). Lo stato cellulare MES è raro nella coltura cellulare, negli xenotrapianti derivati dal paziente (PDX) e nei tumori umani, ma è relativamente più presente nei casi di recidiva. Inoltre, questi stati possono interconvertirsi in presenza di stress genetici o farmacologici, supportando l'ipotesi che le cellule MES possano formare un serbatoio per la ripopolazione dei tumori a dominanza ADRN a seguito di terapie convenzionali. Come avvengono questi cambiamenti di stato cellulare e come possono essere controllati, rimane un quesito aperto.

Quindi, in questo studio, utilizzando nuovi sistemi di segnalazione in combinazione con tecnologie di *knocking* all'avanguardia basate su CRISPR-cas9 e composti farmacologici inibitori e degradatori, investigheremo i regolatori della biologia degli *enhancer* per identificare i controller della chemioresistenza. Questi esperimenti identificheranno i meccanismi con cui la perturbazione degli *enhancer* controlla lo stato cellulare e la chemioresistenza, e determineranno strategie farmacologiche ottimali per migliorare la chemiosensibilità attraverso nuovi modelli murini ad alta fedeltà di neuroblastoma. Questi studi sono quindi atti a fornire nuove potenziali strategie terapeutiche per i bambini affetti da neuroblastoma.

Il vincitore del Premio 2024: Adam Durbin

Adam David Durbin, M.D., PhD., ha conseguito la laurea in Biologia alla York University, ottenendo poi la laurea e il dottorato di ricerca in Medicina all'Università di Toronto. Il Dott. Durbin ha svolto il proprio dottorato presso il Dipartimento di Biofisica Medica dell'Università di Toronto, sotto supervisione del Dott. David Malkin, studiando i meccanismi di trasduzione del segnale nel rhabdomyosarcoma pediatrico.

Ha svolto la formazione di specializzazione in pediatria generale nel programma di specializzazione in pediatria di Boston e la formazione accordata dalla borsa di studio in ematologia/oncologia pediatrica del Dana-Farber Cancer Institute/Boston Children's Hospital.

Ha svolto attività di ricerca post-dottorato con il Dr. Tom Look presso il DFCI e ha collaborato con il Dr. Kim Stegmaier presso il DFCI e il Broad Institute del MIT e di Harvard studiando il panorama delle dipendenze dei tumori solidi pediatrici ad alto rischio. Durante questo periodo, il Dott. Durbin ha identificato gruppi di fattori di trascrizione riprogrammatori responsabili della creazione del trascrittoma maligno del neuroblastoma e del rhabdomyosarcoma ad alto rischio. Nel 2020, il dott. Durbin è stato nominato membro della facoltà del St. Jude Children's Research Hospital come assistente presso la Divisione di Oncologia Molecolare, nel Dipartimento di Oncologia e nel Programma di Biologia dello Sviluppo e Tumori Solidi.

Il laboratorio del Dr. Durbin cerca di capire come i circuiti regolatori trascrizionali stabiliscono l'identità delle cellule maligne e di ricavare meccanismi per perturbarli per ottenere benefici clinici, utilizzando molecole di piccole dimensioni convenzionali e nuove. Il suo lavoro ha portato all'identificazione di diversi nuovi composti in fase di studio preclinico, come JQAD1 e iCBP4.

Il Dott. Durbin ha ricevuto premi e sovvenzioni dagli Istituti Nazionali Health/National Cancer Institute, American Society for Clinical Investigation, Society for Paediatric Research e da numerose Fondazioni incluse Damon Runyon Cancer Research Foundation, Rally Foundation for Childhood Cancer Research, Alex's Lemonade Stand Foundation, Forbeck Foundation, CureSearch for Children's Cancer, V Foundation for Cancer Research, Hyundai Hope on Wheels Foundation e American Society of Clinical Oncology.

Neuroblastoma

Il neuroblastoma è un tumore raro che ha origine nel sistema nervoso.² Ha inizio nelle prime cellule nervose non mature, chiamate cellule della cresta neurale, che si trovano più spesso nell'embrione o nel feto.³ Il neuroblastoma è il tumore solido extracranico più comunemente diagnosticato nei bambini di età inferiore ai 15 anni e rappresenta circa il 7% di tutti i tumori infantili⁴. Colpisce circa 1.600 neonati e bambini piccoli ogni anno nell'Unione Europea⁵ e negli Stati Uniti⁶ (rispettivamente 800 in ciascuna area geografica).

Recordati è un gruppo farmaceutico internazionale quotato alla Borsa Italiana, strutturato in modo unico per offrire opzioni terapeutiche nei segmenti della medicina generale e specialistica, dell'automedicazione e delle malattie rare. Dal 2007, la nostra business unit dedicata alle malattie rare è "Focused on the few", con la missione di offrire tempestivamente le terapie necessarie. Crediamo che la salute e l'opportunità di vivere appieno siano un diritto, non un privilegio. Vogliamo aiutare le persone a liberare il pieno potenziale della loro vita. Le nostre attività sono completamente integrate: dalla ricerca e sviluppo alla produzione di prodotti chimici e finiti, fino alla commercializzazione e autorizzazione di licenze. Fondata nel 1926, Recordati opera in circa 150 paesi nelle regioni EMEA, Americhe e APAC. Alla fine del 2023, Recordati contava oltre 4.450 dipendenti e un fatturato consolidato di € 2.082,3 milioni. Per ulteriori informazioni, visita il sito www.recordati.com

Corporate Communications

Laura Conti
+39 02 48787 370
corpcomm@recordati.it

Ufficio Stampa (Brunswick)

Barbara Scalchi / Andrea Mormandi
+39 02 9288 6200
recordati@brunswickgroup.com

² Pastor ER, Mousa SA. 2019. Current management of neuroblastoma and future direction. Critical Reviews in Oncology/Hematology. 138:38-43.

³ American Cancer Society. What is neuroblastoma? Consultabile al sito: <https://www.cancer.org/cancer/neuroblastoma/about/what-is-neuroblastoma.html>

⁴ Nadja C. Colon et al. Neuroblastoma. 2011; 58(1): 297-311. Consultabile al sito: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3668791/>

⁵ Gatta G et al. European Journal of Cancer. 2012; 48, 1425-1433. Nota: sono stati stimati 1,8 casi di neuroblastoma per milione all'anno nei 27 Paesi dell'Ue. Con una popolazione attuale stimata a 448 milioni di persone, ciò equivarrebbe a 806.4 pazienti.

⁶ American Cancer Society. Key Statistics About Neuroblastoma. Consultabile al sito: <https://www.cancer.org/cancer/neuroblastoma/about/key-statistics.html> [Novembre 2020]